

(12) 特許協力条約に基づいて公開された国際出願

(19) 世界知的所有権機関
国際事務局

(43) 国際公開日
2020年1月2日(02.01.2020)



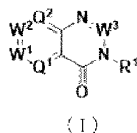
(10) 国際公開番号

WO 2020/004594 A1

- (51) 国際特許分類:
C07D 401/04 (2006.01) C07D 487/04 (2006.01)
A61K 31/517 (2006.01) C07D 491/048 (2006.01)
A61P 21/00 (2006.01) C07D 498/04 (2006.01)
A61P 43/00 (2006.01) C07D 498/10 (2006.01)
C07D 401/14 (2006.01) C12Q 1/686 (2018.01)
C07D 403/04 (2006.01) G01N 33/50 (2006.01)
C07D 413/14 (2006.01) G01N 33/53 (2006.01)
C07D 417/14 (2006.01) G01N 33/68 (2006.01)
C07D 471/04 (2006.01)
- (21) 国際出願番号: PCT/JP2019/025732
- (22) 国際出願日: 2019年6月27日(27.06.2019)
- (25) 国際出願の言語: 日本語
- (26) 国際公開の言語: 日本語
- (30) 優先権データ:
特願 2018-122551 2018年6月27日(27.06.2018) JP
- (71) 出願人: 株式会社リボルナバイオサイエンス(REBORNA BIOSCIENCES, INC.) [JP/JP]; 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地の1 Kanagawa (JP).
- (72) 発明者: 富士 晃嗣(FUJI, Koji); 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地の1 株式会社リボルナバイオサイエンス内 Kanagawa (JP). 山崎 健(YAMASAKI, Takeshi); 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地の1 株式会社リボルナバイオサイエンス内 Kanagawa (JP). 鈴木 俊也(SUZUKI, Shunya); 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地の1 株式会社リボルナバイオサイエンス内 Kanagawa (JP). 小野 宏司(ONO, Koji); 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地の1 株式会社リボルナバイオサイエンス内 Kanagawa (JP). 高萩 洋希(TAKAHAGI, Hiroki); 〒2510012 神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地の1 株式会社リボルナバイオサイエンス内 Kanagawa (JP).
- (74) 代理人: 一色国際特許業務法人(ISSHIKI & CO.); 〒1080073 東京都港区三田三丁目11番36号三田日東ダイビル Tokyo (JP).
- (81) 指定国(表示のない限り、全ての種類の国内保護が可能): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO,

(54) Title: PROPHYLACTIC OR THERAPEUTIC AGENT FOR SPINAL MUSCULAR ATROPHY

(54) 発明の名称: 脊髄性筋萎縮症の予防または治療剤



(57) Abstract: This prophylactic or therapeutic agent for spinal muscular atrophy includes a compound represented by formula (I) or a salt thereof (in the formula: W¹, W², and W³ are each independently selected from the group consisting of C-R², C-R³, C-R^c, and C-R^d, and are defined as in any of (i) to (iv); (i) when W³ is C-R², W¹ is C-R³, W² is C-R^c or N, and R¹ is a hydrogen atom; (ii) when W³ is C-R³, W¹ is C-R², W² is C-R^c or N, and R¹ is a hydrogen atom, a C₁₋₈ alkyl, or a C₁₋₈ alkoxy; (iii) when W¹ is C-R², W² is C-R^c or N, W³ is C-R^d, and R¹ is an aliphatic heterocycle that contains at least one nitrogen atom and is optionally substituted with a non-aromatic substituent; (iv) when W² is C-R², W¹ is C-R^c, W³ is C-R^d, and R¹ is an aliphatic heterocycle that contains at least one nitrogen atom and is optionally substituted with a non-aromatic substituent; R² is an aromatic ring of at least six members that is optionally substituted with a non-aromatic substituent; R³ is an aliphatic heterocycle that contains at least one nitrogen atom and is optionally substituted with a non-aromatic substituent; Q¹ is selected from C-R^a and N; Q² is selected from C-R^b and N; and R^a, R^b, R^c, and R^d are each independently selected from the group consisting of a hydrogen atom, halogen, a C₁₋₈ alkyl, a C₁₋₈ alkoxy, and a cyano group).

[続葉有]

WO 2020/004594 A1

DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT,
HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, JO, JP, KE, KG, KH,
KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY,
MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ,
NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT,
QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL,
SM, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA,
UG, US, UZ, VC, VN, ZA, ZM, ZW.

- (84) 指定国(表示のない限り、全ての種類の広域保護が可能): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), ユーラシア (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), ヨーロッパ (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

添付公開書類:

- 国際調査報告 (条約第21条(3))

(57) 要約: 本発明の脊髄性筋萎縮症の予防または治療剤は、下記式(1): (式中、 W^1 、 W^2 、 W^3 はそれぞれ独立して $C-R^2$ 、 $C-R^3$ 、 $C-R^c$ 、及び $C-R^d$ からなる群から選択され、下記(i)~(iv)のいずれかであり; (i) W^3 が $C-R^2$ のとき、 W^1 が $C-R^3$ 、 W^2 が $C-R^c$ またはN、 R^1 が水素原子; (ii) W^3 が $C-R^3$ のとき、 W^1 が $C-R^2$ 、 W^2 が $C-R^c$ またはN、 R^1 が水素原子、 C_{1-8} アルキル、または C_{1-8} アルコキシ; (iii) W^1 が $C-R^2$ のとき、 W^2 が $C-R^c$ またはN、 W^3 が $C-R^d$ 、 R^1 が非芳香性置換基で置換されてもよい、1つ以上の窒素原子を含む脂肪族複素環; (iv) W^2 が $C-R^2$ のとき、 W^1 が $C-R^c$ 、 W^3 が $C-R^d$ 、 R^1 が非芳香性置換基で置換されてもよい、1つ以上の窒素原子を含む脂肪族複素環; R^2 は、非芳香性置換基で置換されてもよい、6員以上の芳香環であり; R^3 は、非芳香性置換基で置換されてもよい、1つ以上の窒素原子を含む脂肪族複素環であり; Q^1 は $C-R^a$ 、Nから選択され; Q^2 は $C-R^b$ 、Nから選択され; R^a 、 R^b 、 R^c 、 R^d はそれぞれ独立して水素原子、ハロゲン、 C_{1-8} アルキル、 C_{1-8} アルコキシ、及びシアノ基からなる群から選択される。)で表される化合物またはその塩を含む。